



PARECER TÉCNICO/SES/SJ/NATJUS-FEDERAL Nº 0477/2021

Rio de Janeiro, 24 de maio de 2021.

Processo nº 5001841.26.2021.4.02.5105,
ajuizado por
 neste ato representado por

O presente parecer visa atender à solicitação de informações técnicas da **1ª Vara Federal** de Nova Friburgo, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, quanto ao medicamento **Atalureno 125mg** (TranslarnaTM) e **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM).

I – RELATÓRIO

1. Para elaboração do presente parecer técnico foram considerados os documentos médicos, datados mais recentes e ainda com informações pertinentes ao pleito anexados ao processo (Evento 1_LAUDO8, págs. 1 e 2) e (Evento 1_RECEIT9, pág. 1).

2. De acordo com relatório médico do Instituto de Puericultura e Pediatria Martagão Gesteira (Evento 1_LAUDO8, págs. 1 e 2), emitido em 01 de abril de 2021, pela médica
, Autor, 08 anos, é portador **distrofia muscular de Duchenne (DMD)**. Conforme exame genético foi identificado a mutação de stop códon no gene da distrofina (mutação nonsense), realizado pelo método MLPA. Dessa forma, está indicado sem interrupção, a terapia com **Atalureno** (TranslarnaTM), a ser iniciado de imediato, de forma contínua e por tempo indeterminado. O referido hospital não disponibiliza a oferta deste medicamento ao Autor. Com o tratamento a doença progredirá mais lentamente, ou seja, terá uma evolução bem menos avassaladora, sendo esperado um prolongamento do seu tempo de vida e a promoção de mais qualidade para a vida deste paciente e seus familiares. O acompanhamento da resposta terapêutica será realizado nesse hospital, levará em consideração uma melhora nos parâmetros e com frequência de 3 em 3 meses de consultas. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia Muscular**.

3. Em laudo médico (Evento 1_RECEIT9, pág. 1), emitido em 14 de maio de 2021, pela médica
, em impresso próprio, o Autor, escolar, com 8 anos de idade, em acompanhamento junto a neuropediatria, apresenta diagnóstico de doença neuromuscular progressiva denominada **distrofia muscular de Duchenne**, confirmada geneticamente, com mutação do tipo “**nonsense**”, e assim tendo indicação de uso de **Atalureno** (TranslarnaTM), uso contínuo e ininterrupto, de início imediato, respeitando a seguinte quantidade: sachês de **125mg** – 3 sachês por dia, logo 90 sachês ao mês, e sendo assim 3 caixas com 30 envelopes cada por mês; sachês de **250mg** – 4 sachês por dia, logo 120 sachês ao mês, sendo assim

R

4 caixas com 30 sachês por mês. Foi mencionada a Classificação Internacional de Doenças (CID-10): **G71.0 – Distrofia Muscular.**

II – ANÁLISE DA LEGISLAÇÃO

1. A Política Nacional de Medicamentos e a Política Nacional de Assistência Farmacêutica estão dispostas, respectivamente, na Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017 e na Resolução nº 338/CNS/MS, de 6 de maio de 2004.
2. A Portaria de Consolidação nº 6/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, dispõe, também, sobre a organização da assistência farmacêutica em três componentes: Básico, Estratégico e Especializado. E, define as normas para o financiamento dos componentes estratégico e especializado da assistência farmacêutica.
3. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, estabelece, inclusive, as normas de financiamento e de execução do Componente Especializado da Assistência Farmacêutica no âmbito do SUS.
4. A Deliberação CIB-RJ nº 1.589, de 09 de fevereiro de 2012 relaciona os medicamentos disponíveis no âmbito do Estado do Rio de Janeiro e/ou Municípios definindo a Relação Estadual dos Medicamentos Essenciais (REME-RJ).
5. A Deliberação CIB-RJ nº 5.743 de 14 de março de 2019 dispõe sobre as normas de execução e financiamento do Componente Básico da Assistência Farmacêutica (CBAF) no âmbito do SUS no Estado do Rio de Janeiro e, em seu artigo 4º, estabelece o Elenco Mínimo Obrigatório de Medicamentos Essenciais do Componente Básico da Assistência Farmacêutica no Estado do Rio de Janeiro.
6. A Deliberação CIB-RJ nº 6.059 de 09 de janeiro de 2020 atualiza a Deliberação CIB nº 5.743 de 14 de março de 2019, no que tange aos repasses de recursos da União destinados ao Componente Básico da Assistência farmacêutica.
7. A Portaria de Consolidação nº 2/GM/MS, de 28 de setembro de 2017, institui a Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras, na forma do Anexo XXXVIII.

DO QUADRO CLÍNICO

1. As **distrofias musculares** são um grupo de desordens caracterizadas por fraqueza e atrofia muscular de origem genética que ocorre pela ausência ou formação inadequada de proteínas essenciais para o funcionamento da fisiologia da célula muscular, cuja característica principal é o enfraquecimento progressivo da musculatura esquelética, prejudicando os movimentos¹. A

¹BRASIL. Ministério da Saúde. Biblioteca virtual em saúde. Distrofia Muscular. Disponível em: < <http://bvsmms.saude.gov.br/dicas-em-saude/2194-distrofia-muscular>>. Acesso em: 21 mai. 2021.

Distrofia Muscular de Duchenne é uma doença genética hereditária rara, onde o defeito está no cromossoma X, por isto só afeta o sexo masculino. Defeito encontra-se na falta da produção da proteína Distrofina. Existem várias mutações e deleções que podem causar a Síndrome. O diagnóstico da Distrofia Muscular de Duchenne é inicialmente clínico, os sintomas iniciam com 2 ou 3 anos de idade com fraqueza muscular ascendente e progressiva. A lesão da musculatura cardíaca leva a fibrose e miocardiopatia. Existem testes genéticos que identificam as mutações relacionadas a Doença².

2. A **distrofia muscular de Duchenne (DMD)** é uma forma rapidamente progressiva de distrofia muscular. É causada por uma alteração (mutação) em um gene, chamado gene de DMD, responsável por codificar a proteína muscular distrofina, que pode ser herdado nas famílias de forma recessiva, ligada ao X, e ocorre frequentemente nas pessoas sem uma história familiar conhecida. Indivíduos que têm DMD têm perda progressiva da função muscular e fraqueza, por não produzirem a distrofina em seus músculos³.

DO PLEITO

1. O **Atalureno** (TranslarnaTM) permite a produção de distrofina e ajuda os músculos a trabalhar adequadamente. Está indicado para o tratamento da Distrofia Muscular de Duchenne resultante de uma mutação sem sentido (nonsense) no gene da distrofina (DMDmn) em pacientes deambulatórios pediátricos a partir dos 5 anos de idade do sexo masculino⁴.

III – CONCLUSÃO

1. Em síntese, segundo os documentos médicos acostados (Evento 1_LAUDO8, págs. 1 e 2) e (Evento 1_RECEIT9, pág. 1), trata-se de Autor, 08 anos, portador de **distrofia muscular de Duchenne (DMD)**. Conforme exame genético foi identificado a mutação de stop códon no gene da distrofina (mutação nonsense), realizado pelo método MLPA. Dessa forma, está indicado sem interrupção, a terapia com **Atalureno** (TranslarnaTM), a ser iniciado de imediato, de forma contínua e por tempo indeterminado.

2. Diante o exposto, informa-se que o medicamento pleiteado **Atalureno 125mg** (TranslarnaTM) e **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM) possui registro na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA), e está indicado em bula⁴ para o tratamento do quadro clínico apresentado pelo Autor – **distrofia muscular de Duchenne com mutação nonsense**, conforme relato médico (Evento 1_LAUDO8, págs. 1 e 2) e (Evento 1_RECEIT9, pág. 1). No entanto **não**

²BRASIL. Ministério da Saúde. Nota Técnica N° 28/2018. Atrofia Muscular de Duchenne. Medicamento Atalureno – Translarna. Disponível em:

<https://sei.saude.gov.br/sei/documento_consulta_externa.php?id_acesso_externo=26156&id_documento=3454757&infra_hash=9181c9ce2ef239904319446ed8f8bd5e>. Acesso em: 21 mai. 2021.

³CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Síntese de Evidências – Ataluren para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne, 2017. Disponível em: <http://conitec.gov.br/images/Sintese_Evidencias/2017/SE_037_Ataluren_DistrofiaMuscularDuchenne.pdf>. Acesso em: 21 mai. 2021.

⁴Bula do medicamento Atalureno (TranslarnaTM) por PTC Farmacêutica do Brasil Ltda. Disponível em: <<https://consultas.anvisa.gov.br/#/bulario/q/?nomeProduto=TRANSLARNA>>. Acesso em: 21 mai. 2021.



integra nenhuma lista oficial de medicamentos (Componentes Básico, Estratégico e Especializado) para dispensação no SUS, no âmbito do Município de Macuco e do Estado do Rio de Janeiro.

3. Destaca-se que o medicamento pleiteado nas apresentações **Atalureno 125mg** (TranslarnaTM) e **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM), até o presente momento, **não foi avaliado** pela Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC, para o tratamento de **distrofia muscular de Duchenne**⁵, bem como **não há PCDT**⁶ - **Protocolo Clínico e Diretrizes Terapêuticas publicado, em, elaboração**⁷ ou em **atualização para distrofia muscular de Duchenne** – quadro clínico apresentado pelo Autor e, portanto, **não há lista oficial de medicamentos** que possam ser implementados nestas circunstâncias.

4. Acrescenta-se que a **distrofia muscular de Duchenne** é uma doença genética hereditária rara. Nesse sentido, o Ministério da Saúde instituiu a **Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras**, aprovando as Diretrizes para **Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras** no âmbito do SUS e instituiu incentivos financeiros de custeio. Ficou estabelecido que a **Política Nacional de Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras**⁸ tem como objetivo reduzir a mortalidade, contribuir para a redução da morbimortalidade e das manifestações secundárias e a melhoria da qualidade de vida das pessoas, por meio de ações de promoção, prevenção, detecção precoce, tratamento oportuno, redução de incapacidade e cuidados paliativos. .

5. Ainda de acordo com a referida Política, o Ministério da Saúde ficou responsável por estabelecer, através de PCDT, recomendações de cuidado para tratamento de doenças raras, levando em consideração a incorporação de tecnologias pela CONITEC, de maneira a qualificar o cuidado das pessoas com doenças raras. Na **Proposta de Priorização para a elaboração de PCDT, distrofias musculares consta** dentre as anomalias congênitas⁹.

6. Elucida-se ainda que a **distrofia muscular de Duchenne não tem cura** e o seu tratamento se baseia na terapia sintomática, como a utilização dos corticosteroides no retardo da perda da função e da força muscular, a principal consequência desta doença. O **Atalureno** é recomendado para o tratamento da distrofia muscular de Duchenne em pessoas com idade igual ou superior a cinco anos, que conservam a capacidade da marcha. Não há nenhuma cura conhecida para a DMD. O tratamento visa controlar os sintomas para melhorar a qualidade de vida do indivíduo³. No SUS, atualmente, para a **distrofia muscular de Duchenne** o tratamento padrão consiste no uso de glicocorticóides para melhora da função motora, pulmonar e redução do risco de escoliose. Também são importantes as medidas de suporte como fisioterapia para prevenção e tratamento das complicações. Destacam-se para a prevenção das complicações ortopédicas, além dos glicocorticóides, suplementação de vitamina D, bifosfonados, fisioterapia motora, órteses e

⁵Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/tecnologias-em-avaliacao>>. Acesso em: 21 mai. 2021.

⁶Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS – CONITEC. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/index.php/protocolos-e-diretrizes>>. Acesso em: 21 mai. 2021.

⁷BRASIL. Ministério da Saúde. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no Sistema Único de Saúde. Protocolos e Diretrizes do Ministério da Saúde. Disponível em: <<http://conitec.gov.br/pcdt-em-elaboracao>>. Acesso em: 21 mai. 2021.

⁸BRASIL, Ministério da Saúde. Portaria nº 199, de 3 de janeiro de 2014. Disponível em: <http://bvsms.saude.gov.br/bvs/saudelegis/gm/2014/prt0199_30_01_2014.html>. Acesso em: 21 mai. 2021.

⁹CONITEC. Comissão Nacional de Incorporação de Tecnologias no SUS. Relatório de Recomendação – Priorização de Protocolos e Diretrizes Terapêuticas para Atenção Integral às Pessoas com Doenças Raras. Março/2015. Disponível em: <http://conitec.gov.br/imagens/Relatorios/2015/Relatorio_PCDT_DoencasRaras_CP_FINAL_142_2015.pdf>. Acesso em: 21 mai. 2021.

R

cirurgias ortopédicas visando estabilizar e alongar tendões. Para prevenir e tratar as complicações pulmonares, estão indicadas as vacinas anti-influenza, anti-pneumocócica, o uso de máscaras de pressão positiva (CPAP) intermitente, e ventilação mecânica e traqueostomia para os quadros clínicos mais avançados. Para tratar as complicações cardíacas estão indicados os inibidores de enzima conversora da angiotensina, antiarrítmicos e betabloqueadores. Os procedimentos cirúrgicos sob anestesia merecem cuidados especiais nos doentes com DMD, pois que têm alto risco de graves complicações anestésicas como a hipertermia maligna².

7. Ademais, elucida-se que, no momento, nas listas oficiais de medicamentos para dispensação pelo SUS, no âmbito do Município de Macuco e do Estado do Rio de Janeiro, **não constam** alternativas terapêuticas que possam representar substitutos farmacológicos ao medicamento pleiteado **Atalureno 125mg** (TranslarnaTM) e **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM).

8. Quanto ao questionamento *sobre a imprescindibilidade do medicamento para o tratamento da enfermidade que acomete o Autor*. Destaca-se o relato médico (Evento 1_LAUDO8, págs. 1 e 2), que “...Com o tratamento a doença progredirá mais lentamente, ou seja, terá uma evolução bem menos avassaladora, sendo esperado um prolongamento do seu tempo de vida e a promoção de mais qualidade para a vida deste paciente e seus familiares”, entende-se que cabe ao médico assistente uma avaliação mais precisa acerca dos riscos inerentes à condição clínica atual do Autor.

9. Em relação ao questionamento *se existe algum outro medicamento que possa substituí-lo, com idêntica eficácia e menor ônus para o Estado e que seja fornecido pelo SUS*. Cabe esclarecer que informações acerca menor preço não se encontra no escopo de atuação proposto no convênio firmado entre a Secretaria de Estado de Saúde e a Seção Judiciária da Justiça Federal do Rio de Janeiro.

10. No que concerne ao valor do pleito **Atalureno 125mg** (TranslarnaTM) e **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM), no Brasil para um medicamento ser comercializado no país é preciso obter o registro sanitário na Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA) e a autorização de preço máximo pela Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED)¹⁰.

11. De acordo com publicação da CMED¹¹, o **Preço Fábrica (PF)** deve ser utilizado como referência quando a aquisição dos medicamentos não for determinada por ordem judicial e os medicamentos não se encontrarem relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013, que regulamenta o artigo 4º da Resolução nº 3 de 2011, e o **Preço Máximo de Venda ao Governo (PMVG)** é utilizado como referência quando a compra for motivada por ordem judicial, e sempre que a aquisição contemplar medicamentos relacionados no rol anexo ao Comunicado nº 6, de 2013.

12. Assim, considerando a regulamentação vigente, em consulta a Tabela de Preços

¹⁰BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Medicamentos. Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Disponível em: <<http://portal.anvisa.gov.br/cmmed/apresentacao>>. Acesso em: 21 mai. 2021.

¹¹BRASIL. Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Câmara de Regulação do Mercado de Medicamentos (CMED). Preços máximos de medicamentos por princípio ativo, para compras públicas. Preço fábrica (PF) e preço máximo de venda ao governo (PMVG). Disponível em: <http://portal.anvisa.gov.br/documents/374947/5866895/LISTA_CONFORMIDADE_GOV_2020_05_v1.pdf/3a41630f-7344-42ec-b8bc-8f98bba7c205>. Acesso em: 21 mai. 2021.

CMED, o **Atalureno 125mg** (TranslarnaTM) com 30 envelopes possui o menor preço de fábrica consultado, correspondente a R\$ 21181,43 e o menor preço de venda ao governo consultado, correspondente a R\$ 16427,47, para o ICMS 20%; **Atalureno 250mg** (TranslarnaTM) com 30 envelopes possui o menor preço de fábrica consultado, correspondente a R\$ 42362,88 e o menor preço de venda ao governo consultado, correspondente a R\$ 32854,95, para o ICMS 20%¹².

É o parecer.

A 1ª Vara Federal de Nova Friburgo, da Seção Judiciária do Rio de Janeiro, para conhecer e tomar as providências que entender cabíveis.

CHEILA TOBIAS DA HORA BASTOS

Farmacêutica
CRF-RJ 14680
ID. 4459192-6



MARCELA MACHADO DURAÓ

Assistente de Coordenação
CRF-RJ 11517
ID. 4.216.255-6

FLÁVIO AFONSO BADARÓ

Assessor-chefe
CRF-RJ 10.277
ID. 436.475-02

¹²BRASIL Ministério da Saúde. Agência Nacional de Vigilância Sanitária (ANVISA). Lista de Preços de Medicamentos. Disponível em: < https://www.gov.br/anvisa/pt-br/assuntos/medicamentos/cmec/precos/arquivos/lista_conformidade_20210508_083345464_v3.pdf >. Acesso em: 21 mai. 2021.